引用格式：赵润州, 刘术. 从美国博德研究所成功之道看生命科学前沿创新. 中国科学院院刊, 2022, 37(2): 206-215.
Zhao R Z, Liu S. Overview of cutting-edge innovation in life sciences: Learning from perspective of Broad Institute. Bulletin of Chinese Academy of Sciences, 2022, 37(2): 206-215. (in Chinese)

从美国博德研究所成功之道看生命科学前沿创新

赵润州　刘 术*

军事科学院军事医学研究院 北京 100850

摘要　美国博德研究所自2004年成立起，坚持科技创新与管理创新并重；不到10年，即迈入世界一流生命科学研究机构行列，成为生命科学前沿创新的“领头羊”“风向标”，其独特的发展模式值得借鉴。研究表明，聚焦重大疾病诊治需求牵引科研攻关，打通从基础研究到转化应用的通路，构建跨学科、多层次整合研究模式，发挥战略科学家的领航领军作用，集聚小而精的杰出科学家团队，实施高度灵活的项目组织管理，以及打造背靠一流、辐射全美、拓展全球的创新网络，有效支撑了博德研究所高质量创新发展。我国可借鉴其经验，从将生命科学作为建设科技强国的突破口、面向人民生命健康加强顶层设计、夯实生命科学人力资源根基、深度融入生命科学全球创新网络4个方面，推进生命科学前沿创新。

关键词　生命科学，科研机构，博德研究所，前沿创新

DOI　10.16418/j.issn.1000-3045.20210802002

进入21世纪以来，生命科学成为前沿交叉科学技术的重要枢纽，是孕育原创性科学发现、催生颠覆性使能性技术、对人类社会具有深远影响的重大创新领域。生命组学、再生医学、合成生物学、脑科学等前沿学科的迅猛发展，不断催生突破性进展和里程碑式成果，并正在加速向健康、食品、能源、环境等应用领域转化渗透，成为新一轮科技革命的制高点和产业革命的新引擎。在当今大科学时代，生命科学的发展将更加得益于科学技术的组合进步及其与其他学科的交叉融合，从而为解决生命健康挑战、发展质量低下、资源短缺与环境恶化等重大问题提供有力支撑。

科研机构是科技创新的主阵地。在诸多新型生命科学研究机构中，美国博德研究所（Broad Institute）最具有代表性。相比美国国立卫生研究院（NIH）依托政府“大而全”的科研布局，博德研究所走出了一条独具特色的“小而精”发展道路。该研究所以生命

*通信作者

资助项目：国家社会科学基金重点项目（16GJ002-026），中央军事委员会科学技术委员会国防科技战略先导计划（19-ZLXD-33-02-14-002-01）

修改稿收到日期：2022年2月14日

科学为基础开展了大量前沿、顶尖的跨学科研究，建立了现代化的先进科研工作组织模式，取得了系列前瞻性、引领性创新成果①。其成立后迅速迈入世界一流生命科学研究机构行列，现已成为全球生命科学前沿创新的关键力量。探寻博德研究所快速崛起的成功经验，可以为实施创新驱动发展战略下推进我国生命科学前沿创新提供有益启示。

1 博德研究所的历史沿革与学术成就

1.1 历史沿革

2001年，第一版“人类基因组图谱”的发布，开启了从分子层面全面解读生命现象的新阶段，也催生了系统解析疾病遗传学基础、研发有效预防诊断与治疗手段等重大需求。为迎接这一历史性机遇与挑战，延续“人类基因组计划”（HGP）协同创新的科研模式，美国麻省理工学院和哈佛大学于2003年6月联合筹建博德研究所，以促进学科交叉、机构协同、跨界合作的探索性实验。2004年5月，在美国慈善家伊莱·博德和伊迪萨·博德夫妇承诺10年提供2亿美元的资助下，博德研究所重点依托麻省理工学院怀特黑德生物医学研究所（Whitehead Institute for Biomedical Research）和哈佛大学化学与细胞生物学研究所（Institute of Chemistry and Cell Biology），在美国波士顿正式成立。2008年9月，鉴于博德研究所良好的运行效果，博德夫妇追加捐赠4亿美元，使其成为永久性研究机构。博德研究所与麻省理工学院和哈佛大学建立了“两校一所”的跨机构协同创新机制，确保在科研项目、人力资源、平台设施、研究成果、数据资源等方面高度协同共享。

2009年，博德研究所成立了董事会、学术委员会，完成了向正式科研机构的转型。2012年，研究所确立了通过揭示疾病的基本机制和开发新型治疗方法推动医学发展的使命，促进全球生命科学革命的愿景[1]。2013年以来，面向新时期人类健康需求，针对生命科学的多元化和学科交叉性，研究所加强了在重大疾病领域、生命科学前沿的部署，包括投资1亿美元开辟新研究方向（2013年）、募集6.5亿美元开展精神疾病研究（2014年）、联合牵头“人类细胞图谱计划”[2]（2016年）、与多国医药公司组成细胞成像联盟加速药物开发（2020年）、倡议开展“癌症依赖性图谱计划”[3]（2021年）等。

目前，博德研究所下设卡洛斯·斯利姆健康研究中心（Carlos Slim Center for Health Research）、郭士纳癌症诊断中心（Gerstner Center for Cancer Diagnostics）、克拉曼细胞观测中心（Klarman Cell Observatory）、梅尔金医疗保健变革性技术中心（Merkin Institute for Transformative Technologies in Healthcare）、埃里克和温迪·施密特中心（Eric and Wendy Schmidt Center）、斯坦利精神病学研究中心（Stanley Center for Psychiatric Research）、诺和诺德疾病基因组机制研究中心（Novo Nordisk Foundation Center for Genomic Mechanisms of Disease）7个专门研究中心，拥有约400名专职科研人员，以及来自麻省理工学院、哈佛大学的3 000余名科研人员参与研究工作。

1.2 学术成就

成立至今，博德研究所取得了令人瞩目的科研成就。在解析人类基因组功能、揭示癌症关键突变与重要通路、解读细胞反应生物回路、阐明重大传染病分子机制等基础前沿方向，以及遗传疾病基因诊断、高通量药物筛选、新药靶标快速识别发现、候选药物测试的模式细胞与组织构建等新技术、新方法开发方面，博德研究所是全球的风向标。在汤森路透（Thomson Reuters）[4]发布的“2004—2014年度生物

① https://www.broadinstitute.org/.

技术领域全球最具影响力的科研机构排行榜”中，博德研究所位居榜首——成立10年即成为行业龙头。

近年来，博德研究所取得了系列重要代表性成就：开发出新型“碱基编辑器”（2017 年）——能够在人类细胞中进行精准 DNA 碱基替换与修改，编辑效率达 50%，有望用于靶向治疗人类单基因遗传疾病[5]；成功研发 DNA 显微镜（2019 年）——能够通过细胞自身 DNA 变化情况，获取细胞内生物分子的基因序列和相对位置，实现了在基因组水平对细胞代谢规律的揭示[6]；绘制人类第一代癌细胞系转移图谱 MetMap（2020 年）——能够揭示癌症转移的器官特异性模式，有望阐明癌症转移机制并开发出预防癌症转移的新疗法[7]；建立全新 RNA 递送平台 SEND（2021 年）——利用逆转录病毒样蛋白实现 RNA 包装和递送，为基因治疗提供了全新的递送载体[8]。通过不断取得这些颠覆性研究成果，研究所进一步稳固了全球生命科学前沿创新领头羊的地位。

从科学论文发表情况（表 1），同样可以看出博德研究所是世界顶尖生命科学研究中心之一。研究所各项指标均位列世界著名生命科学研究机构的前 2 位，不仅研究产出优异（发文量第 2 位），还具有卓越的科学影响力（篇均被引频次第 1 位、高被引论文数第 2 位）、创新潜力（热点论文数第 2 位）。在科睿唯安（Clarivate Analytics）[9]发布的“2020 年度全球高被引科学家”榜单中，仅有约 400 名专职科研人员的博德研究所有 61 人次入选，入选人数位列全球机构第 7 位，堪比哈佛大学、中国科学院、斯坦福大学等大型科研机构和高校。

2 博德研究所创新特点分析

2.1 聚焦重大疾病诊治需求，牵引大科学计划

博德研究所坚持以人类健康为导向，以提高重大疾病的诊治水平为首要目标，努力提升研究的质量、贡献和影响。研究所将研究方向聚焦在癌症、心血管疾病、糖尿病、传染病、肾病、肥胖症、精神疾病、罕见病等造成严重社会经济负担的疾病，形成了以重大疾病攻关牵引大科学计划、以最新原创科技成果支撑重大疾病诊治的良性互动。其主要做法是围绕重大疾病实施大科学计划，建立开放式协同创新体系，引领生命科学向系统化、规模化、数字化发展。

以癌症研究为例，博德研究所致力于开发最先进的基因组学分析方法，用于构建肿瘤图谱、解析癌症基因组、发现候选药物、开发克服耐药性的新型联合用药方案。研究所牵头了“癌症依赖性图谱计划”（Cancer Dependency Map）、“癌细胞系百科全书计划”（Cancer Cell Line Encyclopedia），参与了

表1　世界著名生命科学研究机构科学论文产出（2010—2021 年）

Table 1　Publication outputs of famous life sciences institutes worldwide (2010–2021)

机构名称	国别	发文量（篇）	篇均被引频次（次）	高被引论文数（篇）	热点论文数（篇）
博德研究所	美国	10 746	103.54	1 247	29
霍华德·休斯医学研究所	美国	25 814	87.64	2 145	49
冷泉港实验室	美国	2 058	102.60	200	7
欧洲分子生物学实验室	德国	7 402	74.56	518	25
桑格研究所	英国	6 963	83.62	578	16
北京生命科学研究所	中国	1 148	53.07	57	1

数据来源：Web of Science核心合集数据库；检索时间：2022年1月

Data source: Web of Science Core Collection; Retrieval time: January 2022

美国“癌症基因组图谱计划”（The Cancer Genome Atlas）、国际癌症基因组联盟（International Cancer Genome Consortium）研究计划。在研究过程中，尤其注重通过数据驱动的研究新范式，推动遗传信息、基因功能、致病基因等的发现，促进治疗手段策略开发，取得了系列标志性成果。例如：建立首个开源癌症基因组数据资源库[10]（2012 年）、发明在癌细胞系中测试潜在药物化合物的分子条形码 PRISM 方法 [11]（2016 年）、创建第一代癌细胞转移图谱[7]（2020 年）、在 4 518 种非抗癌药物中系统识别出近 50 种潜在高效抗癌候选药物[12]（2020 年）等。这些成果为推动现有药物用于癌症治疗和新型抗癌药物研发提供了可能，也为促进基因组学引导精准医疗提供了范例。

2.2 打通从基础研究到转化应用的通路

为加强基础研究与应用研究结合，促进研究成果向产业化转化，博德研究所确立了全景刻画生命分子结构、阐明细胞反应基础的生物回路、解析复杂基因组及其他生物医学数据集、研发新型安全治疗手段、探明主要传染病分子基础并遏制抗生素耐药 5 个发展目标，形成了以基础研究为根，向技术创新、成果转化延伸拓展的发展格局。研究所将基础研究作为总体支撑，撬动全局性、颠覆性、前瞻性创新；将技术创新作为关键支柱，最大限度挖掘基础研究和技术创新协同融合的潜力，促进研究成果的转化应用。

CRISPR 基因组编辑技术的发明及应用，即是融合“从 0 到 1”的先导性探索、“从 1 到 N”的连续性创新和“从 N 到 $N+1$”的应用突破的生动实例，也使博德研究所成为这一战略前沿技术的开拓者、领跑者。研究所率先构建了可对真核细胞进行基因编辑的 CRISPR-Cas9 系统，首次实现了对哺乳动物细胞的基因组编辑[13]（2013 年），使其成为生命科学领域最炙手可热的使能性通用工具。此后，研究所多个团队对这一技术进行了持续改进，产出了多项里程碑式成果，实现了编辑范围与应用领域的拓展、有效性与准确性的提升。例如：改进形成 saCas9 蛋白[14]（2015 年），开发 Cpf1 新系统[15]（2015 年）、Cas13 新系统[16]（2017 年）、先导编辑技术[17]（prime editing，2019 年）等。在此基础上，博德研究所着力推动该技术由基础研究工具迈入临床应用。例如：博德研究所建立的快速高灵敏的新型冠状病毒检测技术[18]（2020 年），成为美国食品药品监督管理局（FDA）批准的首款基于 CRISPR 基因组编辑技术的新冠肺炎诊断工具；使用单碱基编辑治愈耳聋小鼠[19]（2020 年），首次实现了通过基因组编辑技术攻克隐性遗传疾病等。

2.3 构建跨学科、多层次整合研究模式

现代生命科学的发展离不开其他非生物学科的参与，也需要开放系统的整合研究。博德研究所不断探索生命科学研究模式创新，着力推动生物学与化学、医学、计算机科学、工程学等多学科会聚，从分子、细胞、器官、个体、群体及环境等多层次进行整合研究。*在科学方向上，*围绕解析基因组和细胞生物学基础，开发革命性生命科学研究新方法，重点布局了交叉融合特征突出的化学生物学与治疗学、药物发现、细胞环路与表观基因组学、医学遗传学与群体遗传学、代谢调控等。*在技术方向上，*重点布局了数据科学、基因扰动、基因组学、影像学、代谢组学等相应的技术平台和专业团队，为整合研究提供了多学科支撑。

相比经典生物学研究以小型实验室和“单干”为主的研究模式，博德研究所的方向设置更加适应大科学、大数据、大工程的当代科学研究范式。特别是注重人工智能、数字技术、医学影像等在生命科学前沿创新中的应用，推动了生命科学研究由假设驱动向数据驱动的演进，促进了对生物复杂系统和运动规律的研究从宏观定量检测解析发展为精准预测编程和系统调控再造。这种会聚各学科研究前沿向生命科学

创新集中的模式，更加有利于开辟新兴方向、前沿技术。例如，为加快生命大数据解码，促进生命科学和数据科学跨学科研究，博德研究所筹资 3 亿美元，于2021年4月设立埃里克和温迪·施密特中心②。该中心主要开展机器学习揭示疾病遗传基础、亚组分类、风险预测等探索性研究，以及先进模型、算法与在线推断技术的生命科学应用等开创性工作。这些工作代表了交叉科学的重要趋势，其结果将推动生命科学及相关科学的发展。

2.4 发挥战略科学家的领航领军作用

随着研究领域的扩大和研究工作向纵深发展，战略性的领军人物在科技创新中的作用日益突出。博德研究所的辉煌成就，充分展现了科研领军人物的独特价值。创始人、首任所长埃里克·兰德尔（Eric Lander）在推动研究所建设发展、提升原始创新能力的全过程中，发挥了成就卓著的将帅作用③。

在创新定位上，凭借对生命科学发展的洞察力和关键领域未来趋势的把握力，兰德尔明确了博德研究所担纲生命科学革命引领者、科研模式创新先行者的双重定位，将基因组学作为解开生命奥秘的“金钥匙”，以数据驱动生命科学大发现，推动医学向“个性化精准诊治”“关口前移的健康医学”发展。

在创新文化上，依靠数学、管理学、生物学的学科交叉背景和领导“人类基因组计划”等大科学计划的丰富经验，兰德尔鼓励跨学科、跨组织、跨国别的协同创新，主张采取新方法、新架构灵活开展研究，培育了博德研究所开放共享、联合协作、交叉会聚、融合创新的科研生态。

在创新资源上，借助在美国学术界的地位与影响力，以及担任奥巴马政府科学顾问委员会共同主席（2008—2017 年）的资历，兰德尔通过争取私人捐赠、寻求基金资助，以及与美国斯坦利医学研究基金会、安捷伦科技公司等的合作，为博德研究所筹措了丰厚的科研经费；还邀请诺贝尔奖获得者戴维·巴尔的摩（David Baltimore）、哈佛大学校长劳伦斯·巴考（Lawrence Bacow）、谷歌公司前首席执行官埃里克·施密特（Eric Schmidt）等科技、教育、商业领域的杰出领导者担任博德研究所董事会成员，从而为研究所高质量发展提供了战略支撑和智力支持。

兰德尔于2021年6月就任美国总统科学顾问兼白宫科学技术政策办公室主任，并成为美国内阁成员，是首位担任此职的生命科学家④。同时，其不再担任博德研究所所长。

2.5 集聚小而精的杰出科学家团队

人才是科研工作的核心，是科技创新力的根本源泉。博德研究所精选生命科学领域最有远见、最具天赋和最活跃的科学家，充分激发他们的创新活力和创造潜力，从而为研究所的自主创新注入了强劲动能。研究所与麻省理工学院、哈佛大学共同建立人员“双聘”的灵活用人制度，允许科研人员交叉任职、多方任职、投资创业。研究所现有骨干研究员 66 名、协作研究员 300 余名⑤。其中，骨干研究员作为创新中枢，主导制定研究所科研方向；协作研究员主要通过项目合作、课题申请等方式，参与研究工作。骨干研究员中，又细分为核心研究员（15 名）和特聘研究员（51 名）。核心研究员可在研究所建立实验室，特聘研究员可在研究所设置课题组、承担科研项目。

对于骨干研究员的聘任，博德研究所对受聘者的学术水平和科研能力提出了很高要求。骨干研究员在加入之前，或是本领域取得较大成就的科学家，或是

② https://www.broadinstitute.org/news/broad-institute-launches-eric-and-wendy-schmidt-center-connect-biology-machine-learning.
③ https://www.broadinstitute.org/bios/eric-s-lander.
④ https://www.whitehouse.gov/ostp/news-updates/2021/05/28/u-s-senate-unanimously-confirms-dr-eric-lander-to-become-director-of-the-white-house-office-of-science-and-technology-policy/.
⑤ https://www.broadinstitute.org/people/institute-members.

极具潜力的青年杰出学者，或是研发能力突出的企业技术负责人。通过高强度的经费支持、开放自由的学术氛围、一流的支撑条件、高效合理的资源配置、高水平的薪资待遇，研究所为骨干研究员提供了良好的创新环境和有力的服务保障。例如：爱德华 · 斯考尼克（Edward Scolnick）是癌症研究、制药工业的领军人物，曾任默克研究实验室主席；2004 年加入研究所后，斯考尼克负责精神疾病项目并创立斯坦利精神病学研究中心，有效推动了精神疾病研究进入基因组学时代。张锋（Feng Zhang）是光遗传技术的共同发明人；2011 年加入研究所后，在 CRISPR 基因组编辑技术的发明及应用上取得系列突破，获得加拿大盖尔德纳国际奖、美国布拉瓦尼克国家青年科学家奖等奖项。从发表 CNS（*Science*/*Nature*/*Cell*）论文情况看，骨干研究员发文量占博德研究所总发文量的一半以上（表 2）。

对于科研人员的评价与考核，博德研究所灵活使用定期考核、绩效评价、同行评议等手段，不设置硬性的时限、数量、奖项等，尽最大可能保护科研人员的创新活力。

2.6 实施灵活高效的科研组织模式

博德研究所不以学科为标准规划研究，而是面向问题、面向课题，采取模块化组织模式，以科研任务为导向组织不同专业背景的研究人员共同进行。通过核心实验室、项目组和技术平台 3 种组成方式，科研人员开展多学科综合研究，共同解决生命科学和人类疾病相关问题。

10 个核心实验室，分别由 10 名核心研究员负责，并由不同领域方向的科研人员和管理人员组成。核心实验室成员围绕课题密切合作，开展跨学科研究。

17 个项目组，包括代谢组学、传染病和微生物组学、医学群体遗传学、表观基因组学、细胞回路等。通过共同的科学焦点，将科研人员组织在一起，用以加强研究所内部学术交流合作，促进科研灵感产生与学科交叉创新。

6 个技术平台，包括数据科学、影像学、蛋白质

表2　博德研究所 CNS 论文高产骨干科学家及发文情况

Table 2　High productive Broad Institute members and their CNS publications

姓名	任职与专业	发文量（C/N/S）	*h* 指数
Eric Lander	创始人、前所长，遗传学家、分子生物学家和数学家（2021年离职）	130（36/71/23）	171
Aviv Regev	计算和系统生物学家（2020年离职）	105（45/33/27）	116
Gad Getz	癌症基因组计算分析组负责人，基因组学家	78（21/46/11）	149
Matthew Meyerson	癌症基因组学研究负责人，基因组学家	65（16/43/6）	139
Feng Zhang	分子生物学家	54（16/17/21）	96
Bradley Bernstein	表观基因组学项目负责人，病理学家	47（16/22/9）	78
Todd Golub	所长、格斯特纳癌症诊断中心主任，癌症学家	42（5/29/8）	104
Ramnik Xavier	克拉曼细胞观测中心主任、免疫学项目主任、传染病和微生物组项目主任，胃肠病学家和分子生物学家	41（13/15/13）	94
Mark Daly	医学和人口遗传学项目负责人，遗传学家	40（4/29/7）	137
Nir Hacohen	细胞回路项目负责人、基因扰动平台创始人，免疫学家和遗传学家	37（17/11/9）	67

C/N/S：指 *Cell*、*Nuture*、*Science* 3种知名科技期刊；数据来源：Web of Science核心合集数据库；检索时间：2021年6月；发文量自科学家加入博德研究所起记

C/N/S: *Cell*, *Nuture*, *Science*; Data source: Web of Science Core Collection; Retrieval time: June 2021; Number of articles was recorded since scientists joined the Broad Institute

组学、代谢组学、基因组学、基因扰动。技术平台汇集了经验丰富的专业人员、管理人员、辅助人员，旨在提供科研条件支持，推动前沿技术创新。

上述 3 种组成方式既保持相对独立，又可根据科研任务需要，建立形式多样的合作关系、实现创新资源的自由组合与灵活调配。例如：核心实验室成员可根据兴趣，加入项目组、参与平台工作；项目组通过组织学术活动，谋划前瞻性科研项目，催化跨实验室、跨平台合作；技术平台为实施更大范围、更宽领域的科研任务提供支撑。

2.7 打造背靠一流、辐射全美、拓展全球的创新网络

对于基因组学、合成生物学、脑科学等生命科学前沿创新，大规模的跨单位、跨地区、跨国家联合研究已成为主要方式。凭借自身强大的学术声望、科研实力、资源条件、创新能力等，博德研究所构建了囊括 157 个国家和地区、12 763 家科研机构的“核心-轴带-外围”协同创新网络，发挥了对生命科学前沿的思想引领和战略领导作用，强化了科研创新的网络连接、资源汇集、人才凝聚、组织保障。

（1）博德研究所背靠麻省理工学院、哈佛大学两所世界顶尖名校，形成了协同创新网络的关键核心（图 1）。主要包括：哈佛大学医学院附属麻省总医院（3 811 篇）、哈佛大学医学院（3 421 篇）、哈佛大学医学院附属布列根和妇女医院（2 735 篇）等。

（2）依托美国世界科学中心的地位、科技资源与创新环境的优势，以全美主要高水平同行研究机构为重要节点，形成了协同创新网络的轴带支撑。主要包括：加州大学系统（1607 篇）、霍华德·休斯医学研究所（1 516 篇）、美国国立卫生研究院（1 193 篇）等。

（3）面向科技全球化发展趋势，加强与 156 个国家和地区创新主体的紧密联系、互动合作，形成了协同创新网络的外围拓展。主要包括：英国的伦敦大学（1 012 篇）、牛津大学（738 篇）等，德国的亥姆霍兹联合会（698 篇）、慕尼黑大学（449 篇）等，加拿大的多伦多大学（603 篇）、麦吉尔大学（316 篇），荷兰的鹿特丹伊拉斯姆斯大学（541 篇）、格罗宁根

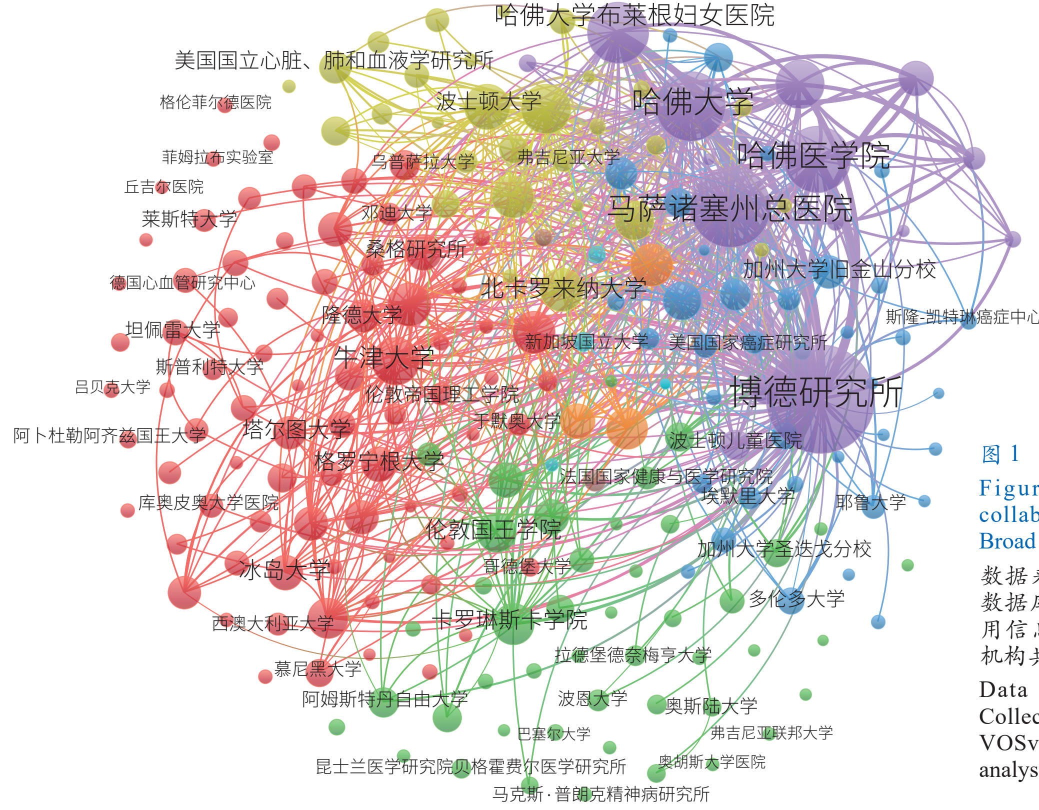


图 1　博德研究所协同创新网络图谱

Figure 1　Visualized chart for collaborative innovation network of Broad Institute

数据来源：Web of Science 核心合集数据库，检索时间 2021 年 7 月；运用信息可视化软件 VOSviewer 进行机构共现分析并绘制图谱

Data source: Web of Science Core Collection; Retrieval time: July 2021; VOSviewer is used for co-occurrence analysis and mapping

大学（412篇）等。

3 对我国生命科学前沿创新的启示与建议

博德研究所通过需求牵引、应用导向、人才凝聚、管理创新等途径，实现了高效的科技力量整合、科研资源共享、科研范式塑造、创新产品生成，对于我国锻造生命科学领域自主创新能力、打造世界一流战略科技力量、抢占国际竞争制高点具有重要借鉴意义。

3.1 将生命科学作为建设科技强国的突破口

当今时代，生命科学发展日新月异，深刻改变人们生产生活方式，极大拓展人类生产生活空间，显著呈现出对推动社会经济发展的溢出效应。博德研究所接续“人类基因组计划”研究基础，在生命组学、基础医学、转化医学等领域不断取得重大进展，并突破学科壁垒，推动与其他自然科学门类的大交叉、大融合、大协作，有效刺激和托举了美国整个生物医药产业的发展。经过60余年的积累，生命科学已成为自然科学中发展最快、影响最大、最具潜力的学科之一，几乎遍及人类社会各个领域，有望成为引领新一轮科技革命的高科技集群“领头羊”。应当看到，当一个国家在关键领域全面领先，就能在国家之间的竞争中占据先机。从人类科技创新发展潮流和经济社会发展趋势来看，生命科学具有鲜明的基础性、广泛性、创造性特征，为国家发展提供战略支撑的关键领域，也是确保可持续发展新的增长极，应当作为实现高水平科技自立自强的优先突破方向。

3.2 面向人民生命健康加强顶层设计

科学合理的科研布局是实现创新发展、跨越发展的首要任务。紧贴世情国情、瞄准前沿趋势，统筹谋划、顶层设计，科技创新活动才有清晰准确的方向、路径、任务、目标。博德研究所瞄准人类生命健康需求，围绕重大疾病实施大科学计划，加强多学科多领域交叉整合，有效促进了基础研究与转化应用的协同共进，构设了上、中、下游融合衔接的科研布局。随着工业化、城镇化、人口老龄化的进程加快，我国居民疾病谱正发生重要变化，防控重大疾病任务愈发艰巨，人民健康面临新的问题和挑战。这些既是生命科学研究的科研选题，也是生物科技为国家发展提供战略支撑的时代命题。应当面向人民生命健康，围绕贯彻落实“健康中国战略”立题、破题、解题，重点在癌症与心脑血管疾病诊治、糖尿病与慢性呼吸系统疾病等慢性病防治、重大传染病特别是新发突发传染病防控、神经精神疾病诊疗等方向，有效利用我国特有中医药资源、独特人类遗传学图谱；加强重大科学计划、重点工程项目与自由探索并举共进；推行“里程碑式”项目管理模式，试点“揭榜挂帅”“赛马制”科研组织实施模式；贯通基础研究、应用基础研究、应用研究和产业化发展全链路创新路径，催生科学发现、孕育技术突破、形成创新理论。

3.3 夯实生命科学人力资源根基

科技创新归根到底是人的智力活动。拥有良好的科研生态，才能源源不断地识才、聚才、育才。博德研究所竭力打造基于信任的人才环境，在精准选才聚才、创新管理治理、跨域协同合作等方面竭力培育、激发创新的氛围与土壤，吸引战略科学家、一流科学家和跨学科创新人才，为其高质量发展、生命科学的前沿创新提供了强大的人力资源保障。当前，我国在生命科学领域的科技帅才比较稀缺，前沿领域和交叉领域的领军拔尖人才数量亟待提升，创新人才方阵的协同共振效应有待加强。因此，需要结合顶层设计，树立学科交叉创新导向，建立以质量、绩效、贡献为核心的评价制度，不拘一格地选人用人，特别是重用具有洞察力、前瞻力、把握力的战略科技人才，培养具有真知灼见的科技领军人才，打造高水平创新团队；进一步激发科技创新主体活力，赋予一线科研人员更大自主权，鼓励其好奇心、想象力和冒险精神；淡化科研评审评奖权重，制止对创新创造的过度行政干预，防止功利思想对科学界的渗

透，营造学术导向的科研生态。

3.4 深度融入生命科学全球创新网络

科学技术是全人类集体智慧的结晶。发展科学技术要具有全球视野，不断深化国际交流合作，让科技创新跑出“加速度”。博德研究所的协同创新网络覆盖全球大多数国家和地区，合作领域和学科范围逐渐拓宽，开放式创新特征十分突出。当前，生命科学正处于从量变积累转向质变跃升的关键阶段，关乎全人类福祉的重大生命健康挑战层出不穷，特别是生物安全威胁正成为全人类面临的共同挑战。世界各国开放竞争、携手合作、优势互补、共同进步，是解决跨国、跨区域和涉及全人类共同利益科学难题的关键途径。在生命科学领域，需要不断深化对外合作交流，设立更多国际合作专项基金，鼓励创新主体积极参与或牵头组织国际大科学、大工程计划，加强与“一带一路”沿线国家和地区科研合作，共同应对重大生命健康挑战。从而，把我国打造成为国际生命科学开放合作的重要舞台，与全球科学共同体一道探索生命科学无尽前沿。

参考文献

1 Broad Institute. Broad Institute 2012. Boston: Broad Institute, 2013.

2 Regev A, Teichmann S A, Lander E S, et al. The human cell atlas. eLife, 2017, 6: e27041.

3 Boehm J S, Garnett M J, Adams D J, et al. Cancer research needs a better map. Nature, 2021, 589: 514-516.

4 汤森路透. 开放的未来：2015全球创新报告. 科学观察, 2015, 10(4): 18-70.
Thomson Reuters. The future is open—2015 state of innovation. Science Focus, 2015, 10(4): 18-70.

5 Gaudelli N M, Komor A C, Rees H A, et al. Programmable base editing of A•T to G•C in genomic DNA without DNA cleavage. Nature, 2017, 551: 464-471.

6 Weinstein J A, Regev A, Zhang F. DNA microscopy: Optics-free spatio-genetic imaging by a stand-alone chemical reaction. Cell, 2019, 178(1): 229-241.

7 Jin X, Demere Z, Nair K, et al. A metastasis map of human cancer cell lines. Nature, 2020, 588: 331-336.

8 Segel M, Lash B, Song J W, et al. Mammalian retrovirus-like protein PEG10 packages its own mRNA and can be pseudotyped for mRNA delivery. Science, 2021, 373: 882-889.

9 Clarivate Analytics. Highly Cited Researchers 2020. (2020-11-18)[2021-07-07]. https://recognition.webofscience.com/awards/highly-cited/2020/.

10 Barretina J, Caponigro G, Stransky N, et al. The Cancer Cell Line Encyclopedia enables predictive modelling of anticancer drug sensitivity. Nature, 2012, 483: 603-607.

11 Yu C, Mannan A M, Yvone G M, et al. High-throughput identification of genotype-specific cancer vulnerabilities in mixtures of barcoded tumor cell lines. Nature Biotechnology, 2016, 34(4): 419-423.

12 Corsello S M, Nagari R T, Spangler R D, et al. Discovering the anticancer potential of non-oncology drugs by systematic viability profiling. Nature Cancer, 2020, 1(2): 235-248.

13 Cong L, Ran F A, Cox D, et al. Multiplex genome engineering using CRISPR/Cas systems. Science, 2013, 339: 819-823.

14 Ran F A, Cong L, Yan W X, et al. *In vivo* genome editing using Staphylococcus aureus Cas9. Nature, 2015, 520: 186-191.

15 Zetsche B, Gootenberg J S, Abudayyeh O O, et al. Cpf1 is a single RNA-guided endonuclease of a class 2 CRISPR-Cas system. Cell, 2015, 163(3): 759-771.

16 Cox D B T, Gootenberg J S, Abudayyeh O O, et al. RNA editing with CRISPR-Cas13. Science, 2017, 358: 1019-1027.

17 Anzalone A V, Randolph P B, Davis J R, et al. Search-and-replace genome editing without double-strand breaks or donor DNA. Nature, 2019, 576: 149-157.

18 Patchsung M, Jantarug K, Pattama A, et al. Clinical validation of a Cas13-based assay for the detection of SARS-CoV-2 RNA. Nature Biomedical Engineering, 2020, 4(12): 1140-1149.

19 Yeh W H, Shubina-Oleinik O, Levy J M, et al. *In vivo* base editing restores sensory transduction and transiently improves auditory function in a mouse model of recessive deafness. Science Translational Medicine, 2020, 12: eaay9101.

Overview of Cutting-edge Innovation in Life Sciences: Learning from Perspective of Broad Institute

ZHAO Runzhou LIU Shu*

(Academy of Military Medical Sciences, Academy of Military Sciences, Beijing 100850, China)

Abstract Since its establishment in 2004, the Broad Institute in the United States has been dedicated to combination research innovation with management innovation. In less than 10 years, it has been enlisted as one of the world-class life sciences research institutions and become the leader and signpost of cutting-edge innovation in life sciences. Its unique development model is worthy of reference. This study showed that the high-quality innovation and development of the Broad Institute is inseparable from: (1) its focus on the diagnosis and treatment needs of major diseases for scientific research; (2) the opening up of the channel from basic research to transformation and application; (3) the formation of an interdisciplinary and multi-level integrated research model; (4) its giving full play to the leading role of strategic scientists; (5) the gathering effect of small and excellent teams of outstanding scientists; (6) the implementation of highly flexible project organization and management; (7) the building of a first-class innovation network radiating the world. China can learn from its experience to promote the cutting-edge innovation of life sciences from following four aspects: (1) taking life sciences as the breakthrough in building China as a scientific and technological strength; (2) strengthening upper-level design for people's life and health; (3) laying a solid foundation of human resources of life sciences; (4) deeply integrating into the global innovation network of life sciences.

Keywords life sciences, scientific research institution, Broad Institute, cutting-edge innovation



赵润州 军事科学院军事医学研究院助理研究员。主要研究领域：科研管理、科技评估等。近年来主要承担来自国家社会科学基金、中央军事委员会科学技术委员会等的科研项目，在国内核心期刊发表学术论文10余篇。E-mail: kiddjojo@163.com

ZHAO Runzhou Assistant Professor of Academy of Military Medical Sciences, Academy of Military Sciences. His research focuses on scientific research management, science & technology assessment, etc. In recent years, he has undertaken projects sponsored by the National Social Science Foundation of China, the Science and Technology Commission of the Military Commission, and so on. He has first authored more than ten academic papers in domestic core journals. E-mail: kiddjojo@163.com



刘 术 军事科学院军事医学研究院副研究员。主要研究领域：生物安全与国防生物科技战略论证。主持国家社科基学金、中央军事委员会后勤保障部、中央军事委员会科学技术委员会等单位重点及面上课题20余项。E-mail: LS0001@sina.com

LIU Shu Associate Professor of Academy of Military Medical Sciences, Academy of Military Sciences. His research focuses on biodefense and defense biotechnology strategic study. In recent years, he has undertaken more than 20 key and general projects sponsored by the National Social Science Foundation of China, the Logistics Support Department of the Military Commission, the Science and Technology Commission of the Military Commission, and so on. E-mail: LS0001@sina.com

■责任编辑：岳凌生

*Corresponding author